

# Medicinrådets anbefaling vedrørende patisiran til transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2

## Medicinrådet anbefaler ikke

patisiran til patienter med transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2.

Vi anbefaler ikke patisiran, fordi sundhedsvæsenets omkostninger til lægemidlet vil være for høje, hvis vi anbefaler det. Også selvom lægemidlet har stor merværdi og altså er meget bedre for patienterne end ingen behandling.

## Værdi for patienterne

Patisiran til transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2 har en stor merværdi sammenlignet med placebo. Det betyder, at patisiran samlet set er meget bedre for patienterne end ingen behandling.

Medicinrådet har lagt vægt på, at målene med behandling med patisiran er at standse eller forsinke sygdomsprogression, således at livskvaliteten forbedres, og at livet forlænges. Det vurderede data for effekten af patisiran viser, at behandling med patisiran kan standse sygdomsprogressionen hos patienter med transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2. Effekten ses på alle parametre, der er målt inden for neurologisk funktion, handicapgrad, gangfunktion og livskvalitet. Bivirkningsprofilen er håndterbar og giver ikke anledning til øget behandlingsophør.

Kvaliteten af de data, der er for sammenligningen af patisiran med placebo i dag, er moderat. Det betyder, at nye studier med lav sandsynlighed vil ændre konklusionen.

## Omkostninger for sundhedsvæsenet

I officielle priser vil det koste ca. 20 mio. kr. mere at behandle én patient med patisiran end med ingen behandling. Da få nye patienter forventes at kunne blive behandlet pr. år, vil anbefalingen betyde, at de årlige budgetkonsekvenser i det 5. år vil være ca. 22 mio. kr.

Lægemedelfirmaet har dog givet en fortrolig rabat, og derfor er de reelle tal lavere. Beregningen af omkostningerne er forbundet med betydelige usikkerheder.

## Alvorlighed

Medicinrådet har taget højde for alvorligheden af sygdommen og symptomerne i vurderingen af værdi for patienterne. Medicinrådet har ikke anvendt alvorlighedsprincippet i beslutningsgrundlaget for anbefalingen af patisiran til transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2.

## Anbefalingen betyder

Anbefalingen betyder, at Medicinrådet råder regionerne til ikke at bruge patisiran til patienter med transthyretinmedieret amyloidose med polyneuropati stadie 1 og 2.

Godkendt	21. oktober 2020
Dokumentnummer	94467
Versionsnummer	1.0

© Medicinrådet, 2020. Publikationen kan frit refereres med tydelig kildeangivelse.

Medicinrådet, Dampfærgevej 27-29, 3. th., 2100 København Ø

[www.medicinraadet.dk](http://www.medicinraadet.dk)

Sprog: dansk

Format: pdf